



Trabalhos Científicos

Título: Revisão De Literatura: Avanços Terapêuticos Na Nf1 - O Papel Do Selumetinibe No Tratamento De Neurofibromas Plexiformes

Autores: ROBERTA SENA SILVA (UFMG), RAQUEL DE FUCCIO MENDES (UFMG), VITÓRIA DONADONI COSTA (UFMG), KARINE CORREA FONSECA (UFMG), NONATO MENDONÇA LOTT MONTEIRO (UFMG), CLÁUDIA MACHADO SIQUEIRA (UFMG)

Resumo: A neurofibromatose tipo 1 (NF1) é uma desordem genética autossômica dominante causada por variantes patogênicas no gene NF1. Com prevalência estimada entre 1:2000 e 1:3000 nascidos vivos, apresenta manifestações marcantes como manchas café-com-leite, neurofibromas dérmicos e plexiformes (PNs). Os PNs, complexos e infiltrativos, frequentemente inoperáveis, representam grandes desafios terapêuticos devido ao risco de deformidades, dor crônica e transformação maligna. O avanço na compreensão da sinalização RAS/MAPK no crescimento temporal, impulsionou o desenvolvimento de terapias-alvo, como o selumetinibe, inibidor seletivo das quinases MEK1/2 aprovado pelo FDA e ANVISA para tratar PNs sintomáticos e inoperáveis em pacientes com NF1. Revisar a literatura recente sobre eficácia, segurança e impacto clínico do selumetinibe, Selumetinibe, a única droga já aprovada para uso no Brasil, no manejo de PNs inoperáveis em indivíduos com NF1 maiores de dois anos. Foram analisados estudos nas bases PubMed/Medline, em junho de 2025, com os termos: 'neurofibromatosis type 1' AND 'selumetinib', incluindo revisões sistemáticas, metanálises e narrativas publicadas nos últimos cinco anos. Os critérios focaram em pacientes pediátricos e adultos com NF1 e PNs inoperáveis, avaliando resposta tumoral, eventos adversos e impacto funcional. O selumetinibe demonstrou eficácia na redução do volume tumoral 8805,20% (resposta parcial) em até 68% dos pacientes, com melhora em dor, mobilidade e função motora. Os efeitos adversos mais comuns incluem eventos dermatológicos (rash acneiforme, xerose, prurido), elevações assintomáticas de CPK e eventos gastrointestinais leves a moderados, geralmente manejáveis. Diretrizes reforçam seu uso como primeira linha para PNs pediátricos, com estudos adicionais em andamento para adultos. Impactos positivos na qualidade de vida de pacientes e cuidadores foram reportados. Selumetinibe é um avanço significativo no manejo dos PNs em NF1, sendo eficaz na redução tumoral e melhora funcional. Apesar dos efeitos adversos frequentes, são geralmente controláveis e não limitantes. Estudos longitudinais são necessários para avaliar benefícios duradouros, riscos cumulativos e biomarcadores preditivos de resposta, consolidando seu papel no tratamento de pacientes com NF1. Outros inibidores seletivos das quinases MEK1/2 estão em avaliação e estão sendo estudadas como alternativas em diferentes condições associadas à neurofibromatose tipo 1.